

## Etisk analys – läkemedel för vanliga tillstånd – kommentar till TLVs regeringsuppdrag kring läkemedel för sällsynta tillstånd

Lars Sandman, professor i hälso- och sjukvårdsetik, föreståndare  
Prioriteringscentrum, Linköpings universitet.

### Den etiska plattformen för prioriteringar inom svensk hälso- och sjukvård

Den etiska plattformen för prioriteringar består av tre principer som är en helhet för hur vi etiskt bör fördela hälso- och sjukvårdens begränsade resurser. I propositionen som ligger till grund för att de infogades i hälso- och sjukvårdslagstiftningen presenterades den etiska plattformen på följande sätt (Prop 1996/97:60, s. 18):

- Tre principer bör ligga till grund för prioriteringar inom vården:
- människovärdesprincipen, alla människor har lika värde och samma rätt oberoende av personliga egenskaper och funktioner i samhället,
  - behovs-solidaritetsprincipen, resurserna bör fördelas efter behov,
  - kostnadseffektivitetsprincipen, vid val mellan olika verksamheter eller åtgärder bör en rimlig relation mellan kostnader och effekt, mätt i förbättrad hälsa och förhöjd livskvalitet, eftersträvas.

I läkemedelsförmånslagen (SFS 2002:16) hänvisas till den paragraf i hälso- och sjukvårdslagen (SFS 2017:30) där den etiska plattformens människovärdesprincip och behovs-solidaritetsprincip uttrycks med tillägget (min kursivering):

**15 §** Ett receptbelagt läkemedel ska omfattas av läkemedelsförmånerna och inköpspris och försäljningspris ska fastställas för läkemedlet under förutsättning att

1. kostnaderna för användning av läkemedlet, med beaktande av bestämmelserna i 3 kap. 1 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30), framstår som rimliga från *medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter...*

In den proposition som låg till grund för läkemedelsförmånslagen (Prop. 2001/2002:63, s. 28) uttrycks det på följande sätt:

De överväganden som blir aktuella vid bedömningen av om ett läkemedel skall subventioneras av offentliga medel måste utgå från de allmänna och

övergripande mål och principer för hälso- och sjukvården som framgår av hälso- och sjukvårdslagen – människovärdesprincipen och behovssolidaritetsprincipen – samt de prioriteringsriktlinjer för hälso- och sjukvården som riksdagen har ställt sig bakom. I ljuset av dessa utgångspunkter bör en bedömning i varje enskilt fall ske rörande ett läkemedels kostnadseffektivitet.

I det följande betonas att vad som är kostnadseffektivt ska ses ur ett samhällsperspektiv.

Uttolkat ger den etiska plattformen följande vägledning för hur fördelningen av resurser bör se ut inom svensk hälso- och sjukvård:

- Ju större svårighetsgrad ett tillstånd har, desto mer resurser bör vi lägga på det tillståndet för att uppnå en viss patientnytta för patientgruppen med tillståndet.
- Resursanvändningen för att uppnå en viss patientnytta bör vara rimlig.
- Vad som är en rimlig resursanvändning i relation till patientnyttan bestäms framförallt av svårighetsgraden hos tillståndet. Det innebär att ju högre svårighetsgrad, desto mer resurser kan vi lägga på tillståndet för att uppnå en viss patientnytta (eller uttryckt i termer av kostnadseffektivitet, desto mindre kostnadseffektiv kan en sådan insats vara). Att den ska vara rimlig, kan ses som en signal om att även för en mycket hög svårighetsgrad kan vi inte acceptera en hur låg kostnadseffektivitet som helst.
- Vad som är en rimlig resursanvändning i relation till patientnyttan, kan sägas bero på tillgången på resurser i systemet och därmed vilken alternativkostnad resurserna har för andra patientgrupper. Detta kan säga uttryckas av att kostnaderna ska vara rimliga ur samhällsekonomiskt perspektiv.
- För patientgrupper med tillstånd av likvärdig svårighetsgrad, bör vi eftersträva tillgång till jämlik vård och idealt även, jämligt hälsoutfall.
- Faktorer som inte är etiska relevanta enligt den etiska plattformen, bör inte påverka den jämlika tillgången till behandling för patienter med likvärdig svårighetsgrad. I propositionen pekas följande aspekter ut i relation till människovärdesprincipen, även om det inte är helt klart hur detta ska tolkas:
  - Social situation/ställning
  - Ekonomisk situation
  - Kronologisk ålder
  - Tidigare livsstil
- En mer generell tolkning av människovärdesprincipen är dock att även andra irrelevanta faktorer inte bör spela roll för patienters jämlika tillgång till behandling vid likvärdig svårighetsgrad. Exempelvis, som diskuteras nedan, marknadsdynamik i relation till en patientgrupps storlek.
- Kriteriet om likvärdig svårighetsgrad baseras på att den etiska plattformen tillåter en vikande resurstäckning i takt med vikande svårighetsgrad.

Patientgrupper kan alltså inte nödvändigtvis förvänta sig jämlik tillgång till vård oavsett svårighetsgrad. I behovs-solidaritetsprincipen sägs det att patienter med lindrigare tillstånd måste vara villiga att, i solidaritet, stå tillbaka för patientgrupper med svårare tillstånd.

## Den etiska plattformen i relation till TLVs förslag

I denna etiska analys berörs TLVs förslag om särskild hantering för läkemedel för vanliga tillstånd, för att frigöra resurser för en högre kostnadseffektivitetströskel för läkemedel för sällsynta tillstånd, i form av:

- Sänkt kostnadseffektivitetströskel.
- Hänsyn till försäljningsvärde.

I min tolkning av föreslagen ger dessa upphov till två olika principiella etiska frågeställningar (som jag behandlar var och en i den följande analysen):

- Är det förenligt med den etiska plattformen att höja kraven på kostnadseffektivitet för vanliga tillstånd för att frigöra resurser till dessa förslag?
- Är det förenligt med den etiska plattformen att ta hänsyn till försäljningsvärdet av ett läkemedel?

## Höjda krav på kostnadseffektivitet för vanliga tillstånd för att frigöra resurser

Den ökade kostnaden för att genomföra förslag för att öka tillgången till läkemedel för sällsynta tillstånd måste tas någonstans ifrån. Om detta ska ske inom ramen för existerande budget för läkemedelsförmånen, innebär det att resursanvändningen inom andra områden måste effektiviseras eller så måste annan behandling ransoneras.

Generellt, om vi utgår från den etiska plattformen och behöver göra omprioritering av resurser för att tillgodose en mer jämlik behandling av tillstånd med mycket hög svårighetsgrad så bör den generellt göras enligt följande prioriteringsordning:

- I första hand effektivisera resursanvändningen.
- I andra hand ransonera behandling av lindriga tillstånd
- I tredje hand ransonera behandling av måttliga tillstånd.
- I fjärde hand ransonera mindre kostnadseffektiv behandling av tillstånd med hög – mycket hög svårighetsgrad.

De kostnadseffektivitetströsklar som tillämpas i nuläget av TLV för vanliga tillstånd har inte sin grund i en explicit etisk analys utifrån den etiska plattformen, utan är snarare ett implicit resultat av tidigare fattade beslut som i sin tur resulterat i vissa nivåer för accepterade kostnadseffektivitetströsklar givet viss svårighetsgrad (se exempelvis Svensson et al 2015). Om dessa visar sig för höga för att tillgodose den etiska plattformens krav för hela systemet, dvs. behöver justeras för att helheten

bättre ska vara i linje med den etiska plattformen, så finns det etiska skäl att göra en sådan justering. Ett annat sätt att uttrycka detta på är att hänvisa till att bedömningen av vad som är kostnadseffektivt bör utgå från vad som är rimligt ur ett humanitärt och samhällsekonomiskt perspektiv. Att budgeten för hälso- och sjukvården skulle tillåtas växa och därmed få konsekvenser för andra delar av samhällets välfärd förefaller inte i nuläget samhällsekonomiskt rimligt eller politiskt möjligt. På motsvarande sätt, att låta läkemedelsbudgetens andel av hälso- och sjukvårdens kostnader växa mer substantiellt förefaller inte heller rimligt givet de behov av annan typ av vård som finns och som bidrar till att möta väsentliga behov. Det kan utifrån det resonemanget krävas en justering över tid av vad som är en rimlig kostnadseffektivitet givet andra etiska överväganden.

En sådan justering bör dock principiellt följa den prioriteringsordning som listas ovan. Kan TLV effektivisera läkemedelsförmånen genom att sänka priserna för läkemedel för vanliga tillstånd eller genom att fortsättningsvis acceptera en lägre kostnadseffektivitetströskel för vanliga tillstånd, utan att tillgången till dessa läkemedel försämras, så bör det ske i första hand. Om en sådan prissänkning, eller ett sådant sänkt tröskelvärde innebär att tillgången till läkemedel minskar, kan en sådan minskad tillgång accepteras för att öka tillgången för tillstånd med mycket hög svårighetsgrad om den i första hand drabbar lindriga – måttliga tillstånd. Om detta riskerar att även minska tillgången till läkemedel för tillstånd med hög till mycket hög svårighetsgrad – så krävs större försiktighet. Generellt, att omfördela resurser på ett sätt som innebär att en mindre grupp med mycket hög svårighetsgrad får tillgång till behandling, på bekostnad av en större grupp med likvärdig svårighetsgrad, innebär en total etisk förlust enligt den etiska plattformen eftersom det minskar jämlikheten i systemet för grupper som bör behandlas likvärdigt (dvs utgångspunkten för att vi accepterar en förändring enligt ovan). Om det sker på ett sätt som innebär att man minskar tillgången till mindre kostnadseffektiv behandling för tillstånd med likvärdig svårighetsgrad, för att öka tillgången till mer kostnadseffektiv behandling kan det vara acceptabelt. Det är dock väsentligt att se hur detta mer systematiskt påverkar de patientgrupper som drabbas negativt av detta. Eftersom många av de behandling som kommer in i läkemedelsförmånen för tillstånd med hög till mycket hög svårighetsgrad gör detta precis under gränsen för vad som är en acceptabel kostnadseffektivitetsnivå – så är detta dock kanske mer av en teoretisk möjlighet.

Här är det viktigt att betona att dessa beslut kommer innebära olika avvägningar eller risktagande utifrån den etiska plattformen. Vad som är ett rimligt risktagande när det gäller att etiskt oönskade effekter av att sänka kostnadseffektivitetströsklarna för vanligare tillstånd, beror dels på hur stor risk som kan accepteras, dels på hur ingripande åtgärderna är. Eftersom prioriteringar alltid innebär avvägningar mellan olika värden, så är det svårt att ställa krav på att risktagandet ska närma sig noll. Dvs. det kan vara acceptabelt med en viss risk negativ inverkan även på tillgången till effektiv behandling av tillstånd med hög till mycket hög svårighetsgrad om denna blir begränsad. En faktor av relevans för detta

är i vilken utsträckning det finns tillgängliga behandlingsalternativ. På motsvarande sätt, åtgärder av mindre drakonisk karaktär när det gäller sänkning av kostnadseffektivitetströsklar, eller andra insatser (se nästa avsnitt) minskar också risken för denna typ av negativa effekter.

Huruvida det uppstår sådana negativa effekter bör utvärderas över en längre tid. Det kan ligga i läkemedelsindustrins intresse och argumentation att hota med att dra tillbaka läkemedel och kanske även delvis göra det för att visa allvar av ett sådant hot, vid åtgärder som försämrar lönsamheten hos dessa läkemedel. Vad som händer kortsiktigt eller potentiellt kan hända bör dock inte direkt påverka TLVs verksamhet, utan det är de mer långsiktiga effekterna som i så fall bör påverka besluten. De nivåer av sänkningar som har föreslagits förefaller inte påtagligt öka risken för den typen av negativa effekter som nämns ovan givet nuvarande förutsättningar för en lönsam läkemedelsutveckling.

## Hänsyn till försäljningsvärde

Ett annat förslag är att TLV ska kunna ta hänsyn till försäljningsvärdet hos läkemedel. I den prioriteringspraxis som utvecklats utifrån den etiska plattformen inom ramen för nationell modell har man normalt sett inte tagit hänsyn till hur stor den grupp som påverkas av en viss åtgärd är och därmed inte heller till stor resurs som krävs för att tillhandahålla åtgärden (Prioriteringscentrum 2017). Samtidigt har det i vissa prioriteringsarbeten på klinisk nivå, varit nödvändigt att kartlägga konsekvenserna av en viss prioritering i form av total resursåtgång. Detta har dock normalt inte påverkat själva prioriteringen. Huvudargumentet för detta är att Prioriteringsutredningen avvisade den så kallade nyttoprincipen som grund för prioritering (SOU 1995). I utredningen uttrycks detta på följande sätt:

*Det innebär att utredningen tar avstånd från en nyttoprincip med innebörden att det som gör störst nytta för flest människor skall väljas i prioriteringssituationer. I detta fall bygger nyttoprincipen på att det är möjligt att lägga ihop nyttan av vård för många människor med små behov på ett sådant sätt att den väger upp en stor nytta för ett fåtal. Den kan t.ex. innebära att man väljer att lägga resurserna på att hjälpa ett stort antal människor med lindriga höftbesvär i stället för ett fåtal med svåra trafikskador. Nyttoprincipen i denna mening är oförenlig med behovs-solidaritetsprincipen.*

*Invändningen mot nyttoprincipen är densamma om man endast beaktar nyttan för speciella grupper. Prioritering av patienter som ger de största intäkterna i sjukvården eller är mest lönsamma för samhället, t.ex. människor i produktiv ålder framför pensionärer, strider också mot utredningens etiska principer. Det är först när nyttan sätts i samband med den enskilda individens behov som vården uppfyller behovs-solidaritetsprincipen. Det hindrar inte att individens och samhällets nytta ofta sammanfaller, t.ex. vid vaccination mot smittsamma sjukdomar. (SOU 1995, s. 122)*

Argumentet baseras alltså på att en stor sammanlagd nytta för en stor men inte särskilt svårt drabbad grupp inte ska kunna trumfa eller prioriteras högre än insatser för en svårt sjuk men mindre patientgrupp (eftersom den sammanlagda nyttan för denna grupp blir lägre).

Å andra sida, läkemedelsförmånslagens skrivningar kring vad som är rimligt ur ett samhällsekonomiskt perspektiv (se ovan), förefaller ge ett mer explicit utrymme för denna form av överväganden.

TLVs förslag om hänsyn till försäljningsvärdet har som syfte att omfördela resurser som läggs på vanliga tillstånd till tillstånd som drabbar få patienter och förefaller därför vara i linje med utredningens förslag. Eftersom fokus för en höjd kostnadseffektivitetströskel för sällsynta tillstånd ligger på tillstånd som har en mycket hög svårighetsgrad, så förefaller det inte heller finnas en risk för att ett sådant hänsynstagande skulle innebära att resurser överförs från svårare sjuka patienter till lindrigare sjuka patienter. Möjligtvis kan det innebära att resurser överförs mellan lika svårt sjuka patienter. Är det i så fall ett problem?

Som diskuteras under förra punkten, kan det vara ett problem om det innebär att tillgången till behandling minskar för lika svårt sjuka patienter. Ovan beskrivs vad som kan vara en rimlig risk att ta för en sådan negativ inverkan och hur man kan resonera kring det. Låt oss dock titta på det underliggande skälet till att man föreslår hänsyn till försäljningsvärdet.

Ett grundläggande skäl till varför det finns skäl att acceptera en högre kostnad per QALY för sällsynta tillstånd är kopplad till marknadsfaktorer (se TLV 2023, Carlsson et al 2012, Sandman och Gustavsson 2017). För att kompensera för utvecklingskostnader och utdelning på investerat kapital för ett sällsynt tillstånd, så finns det skäl att delvis acceptera högre priser per läkemedelsbehandling (och därmed per QALY). När det gäller vanliga tillstånd kan man vända på det argumentet eftersom en stor population, ger goda möjligheter till compensation för utvecklingskostnader och utdelning på investerat kapital. Det finns därmed goda skäl att tro att läkemedelsindustrin kommer att ha goda möjligheter att kunna acceptera begränsningar i prisbild som i sin tur kopplas till försäljningsvärdet utan att detta behöver påverka tillgången till läkemedel för svensk hälso- och sjukvård. Här kan det påpekas att industrin, i den mån man accepterar argumentet för ett högt pris för läkemedel för sällsynta tillstånd, bör acceptera detta argument för att vara konsistenta. I bedömningen av vad som är ett rimligt hänsynstagande till försäljningsvärdet, bör dock inverkan på faktisk tillgång över tid av läkemedel vägas in och ovanstående resonemang kring risker är även relevant när det gäller denna faktor.

## Referenser

Carlsson P, M. Hoffman, L-Å. Levin, L. Sandman, and J. Wiss . *Prioritering och finansiering av läkemedel för behandling av patienter med ovanliga sjukdomar. Rapport till Läkemedelsutredningen*. Prioriteringscentrums rapportserie 2012:1

Hälso- och sjukvårdslag (SFS 2017:30)

Läkemedelsförmånslag (SFS 2002:15)

Prioriteringscentrum. (2017). *Nationell modell för öppna prioriteringar inom hälso- och sjukvård : ett verktyg för rangordning*. Rapport / Prioriteringscentrum, Linköping.

Proposition 1996/97:60. *Prioriteringar i hälso- och sjukvården*.

Proposition 2001/2002:63. *De nya läkemedelsförmånerna*.

Sandman, L och Gustavsson, E. *The (ir)relevance of group size in health care priority setting - a reply to Juth*. Health Care Analysis. Vol. 25:1. (2017), pp. 21-33.

SOU 1995:5. *Vårdens svåra val*. Slutbetänkande. Socialdepartementet, Stockholm.

Svensson, M, Nilsson FOL och Arnberg K. *Reimbursement Decisions for Pharmaceuticals in Sweden: The Impact of Disease Severity and Cost Effectiveness*. Pharmaeconomics Vol. 33:11. (2015), pp.1229-1236.

TLV 2023. *Stärkt tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd – till långsiktigt hållbara läkemedelskostnader*. TLV rapportserie. Stockholm.